



第三者割当による新株式及び第38回新株予約権の発行及びコンパッションネット・ユース・プログラムによるスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の商業化推進に関する説明資料

窪田製薬ホールディングス株式会社（東証グロース4596）

2025年11月17日



第三者割当による新株式及び第38回新株予約権の発行
スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の製造活動推進

第三者割当による新株式及び第38回新株予約権の発行 スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の製造活動推進

スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の製造活動推進のため、第三者割当による新株式及び第38回新株予約権の発行を検討しております。募集の概要は以下のとおりです。

発行規模等

発行体	当社
アレンジャー	EVOLUTION JAPAN証券
対象株式	当社普通株式
資金調達総額	6.14億円（発行諸費用の概算額除く）
合計潜在株式数	90,000,000株 希薄化率 127.83%（議決権総数に対し127.86%）
臨時株主総会	2025年12月19日
発行・払込日	2025年12月22日
支出予定時期	2026年1月～2030年12月
借株	窪田良より3,400,000株、貸借料0%、各半期末及び臨時株主総会時に一時返却
その他	新株式割当予定先は、譲渡制限期間中（2025年12月23日～2030年12月22日までの間）の新株式の第三者への一切の処分を禁止し、窪田良氏退任時には原則無償譲渡とする（取締役会が正当と認める理由がある場合を除く）。払込は当社の財務・業績等に重大な悪化がないことを条件とする。

普通株式：発行条件

取引内容	普通株式（第三者割当）
割当先	窪田 良 30,714,300株 窪田アセットマネジメント株式会社 14,285,700株
割当日	2025年12月22日
発行価額	一株につき、金7円
対象株数	45,000,000株
資金調達の額	3.07億円（発行諸費用の概算額の半分の金額を差し引いた金額です）

新株予約権：発行条件

取引内容	新株予約権（第三者割当）
割当先	EVO FUND
行使開始予定日	2025年12月23日または「エミクススタト塩酸塩」の販売（商業化）に向けた提携契約締結が発表された翌取引日のどちらか遅い日
行使期間	2025年12月23日～2027年12月23日
行使コミット	原則として、払込期日の翌取引日または「エミクススタト塩酸塩」の商業パートナーとのエミクススタト塩酸塩の販売（商業化）に向けた提携契約締結の公表日の翌取引日のいずれか遅い日から120取引日間の期間以内に45,000,000株全てを行使
発行価額総額	4,500円
対象株数	45,000,000株
行使価額	一株あたり7円
資金調達の額	3.07億円（発行諸費用の概算額の半分の金額を差し引いた金額です）

2025年12月19日開催予定の臨時株主総会について

2025年12月19日に臨時株主総会の開催を予定しております。
第三者割当増資の背景・目的並びに第三者割当による調達資金の具体的な使途は以下のとおりとなります。

日程	2025年12月19日（金）
時間	午前11時（受付時間：午前10時）
会場	TKP市ヶ谷カンファレンスセンター 3階 ホール3A（東京都新宿区市谷八幡町8番地）
決議の種類	特別決議
決議事項	第1号議案 定款一部変更の件（発行可能株式総数の変更） 第2号議案 有利発行を伴う第三者割当による募集株式の発行及び募集新株予約権の発行に関する件
定足数	議決権の3分の1（当社定款第16条2項）
可決要件	出席株主の3分の2以上の賛成（当社定款第16条2項）
臨時株主総会開催事由	大規模希薄化及び有利発行について株主総会の特別決議として上程が必要なため また、同時に、発行可能株式総数についても拡大（定款変更）
第三者割当増資の背景	商業パートナー候補とのエミクススタト塩酸塩の販売契約締結にあたり、商業パートナー候補は当社の財務リスクも検討するため、製造資金および運転資金の確保は契約の前提になります。2025年9月末で約17億円の現預金があるが、エミクススタト塩酸塩の製造資金で6.14億円、1年3ヶ月の運転資金で約15億円とすると、2026年末にはキャッシュが不足する見込みと、Laboratoires KÔL含めた商業パートナー候補は考えております。従って6.14億円の調達を計画していますが希薄化による株主様への負担を鑑み、金額は必要最低限としております。
第三者割当増資の目的	スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の製造に係る医薬品有効成分（API）の製造関連費用や医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造およびこれに付随する初期設備投資費用など重要な製造活動推進のため
第三者割当増資による調達資金の具体的な使途	調達総額（発行諸費用の概算額を除く）：6.14億円 医薬品有効成分（API）の製造関連費用（スターガルト病治療候補薬）：4億円 医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造およびこれに付随する初期設備投資費用（スターガルト病治療候補薬）：2.14億円

スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の商業化推進
欧州における商業パートナーとの戦略的提携による商業基盤の確立へ

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 提携可能性検討（商業化協業を含む）に向けた意向表明書を締結

スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の重要な商業化活動として、第3相臨床試験後に実施したサブグループ解析の結果に基づき、欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムによる早期商業化を推進中。コンパッション・ユース・プログラムとは、重篤な疾患を有する患者が、薬事承認前の治験薬を使用できる制度です。

2025年11月14日、連結子会社Kubota Visionにおいて、「エミクススタト塩酸塩」に関する提携可能性検討（商業化協業を含む）に向けた意向表明書（LOI）をLaboratoires KÔLと締結。LOI自体については原則として法的拘束力はなく、その締結自体が当社の当期連結業績に与える影響は軽微であると見込まれますが、今後の具体的な契約交渉や事業展開の結果によっては、将来的に当社の経営成績または財政状態に影響を及ぼす可能性があります。その場合には、速やかに開示いたします。

名称	Laboratoires KÔL  
所在地	22 allée Alan Turing, 63000 Clermont-Ferrand, France
代表者の役職・氏名	Founder and CEO, Sophie Momège, PharmD
事業内容	角膜移植拒絶、角膜血管新生、角膜幹細胞欠損などの角膜関連疾患を中心とした眼科領域における医薬品の研究開発・製造・販売を行う。特に、希少角膜疾患を対象とする治療薬の開発を強みとしており、独自のアンチセンスオリゴヌクレオチド技術「Olisens®」を基盤に、前臨床から臨床試験段階に至るまでの開発を推進している。
設立年月	2020年2月
URL	https://laboratoires-kol.com/en_GB

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 提携可能性検討（商業化協業を含む）に向けた意向表明書を締結

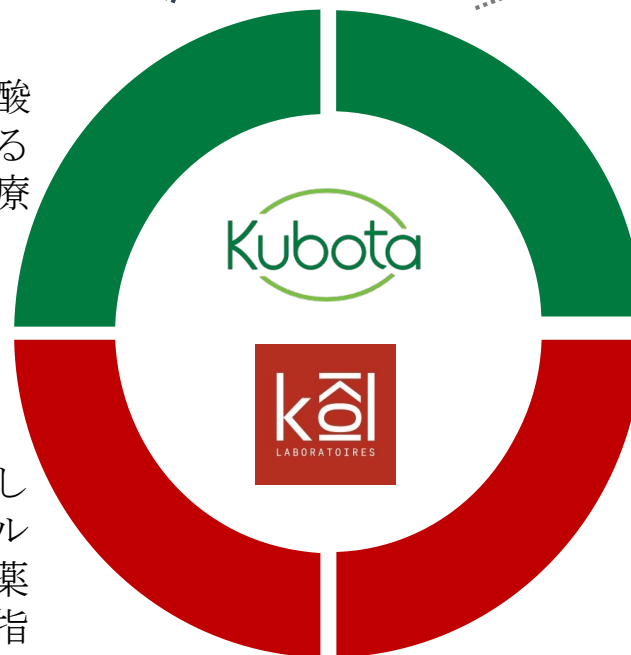
Laboratoires KÔLは希少眼科疾患領域の医師とのネットワークと同領域における規制対応経験及び知識を有しており、当社グループにおけるスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の商業化推進として最適なパートナーであると考えております。
LOIに基づき連携領域や役割分担を明確にし、欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムを活用した早期商業化推進を目指します。

有効性を示すサブグループ解析データを保有

スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」は、スターガルト病領域で最も前進している臨床開発実績を有しており、スターガルト病治療候補薬として承認に最も近い段階にある。

希少眼科疾患領域の医師とのネットワーク

希少眼科疾患領域の医師とのネットワークを有しており、即座に活用することが可能。スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の新薬承認後の市場浸透を早期に最大化することを目指す。



欧州でのスターガルト病治療候補薬の商業化推進

欧州におけるコンパッション・ユース・プログラムを活用した早期商業化推進により、欧州の中でも最も早く立ち上がった「希少眼科疾患の商業化モデル」の構築を目指す。

希少眼科疾患領域における規制対応経験及び知識

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）の承認プロセスや希少眼科疾患に対する規制戦略を熟知しており、当社グループの希少眼科疾患市場への参入リスクを低減する。

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 提携可能性検討（商業化協業を含む）に向けた意向表明書を締結

両社は現在、当該LOIに基づき、スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の販売権および独占権に関するライセンス契約について協議中であり、2025年12月上旬を目途に具体的な契約内容に関する協議を進めております。Kubota Vision Inc.は、「エミクススタト塩酸塩」の原材料仕入、医薬品有効成分（API）の製造、医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造、並びに審査業務についてLaboratoires KÔLと連携して実施します。一方、Laboratoires KÔLは「エミクススタト塩酸塩」の製造以外のすべての業務を担当し、審査に関しては当社グループと連携する予定です。

名称	 Kubota Vision Inc.	 Laboratoires KÔL
製造	<u>「エミクススタト塩酸塩」の製造</u> 医薬品有効成分（API）の製造 医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造	
MSL（メディカル・サイエンス・リエゾン）		<u>「エミクススタト塩酸塩」の情報提供</u> フランスにおける眼科疾患領域で高い専門性と影響力のある医師へアプローチ
審査	<u>「エミクススタト塩酸塩」の新薬承認審査及び承認審査：Laboratoires KÔLと連携して実施</u> - 新薬承認申請 ANSM (フランス医薬品・保健製品安全庁) へMAA (医薬品製造販売承認申請) 提出 →HAS (フランス高等保健機構) によるSMR / ASMR（臨床的有用性・経済価値評価） - 承認審査 EMA (欧州医薬品庁) による承認審査（2027年以降予定）	

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 コンパッションネート・ユース・プログラムによる商業化推進

2025年12月19日臨時株主総会による特別決議承認後第三者割当による資金調達を行い、スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の製造に係る医薬品有効成分（API）の製造関連費用や医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造およびこれに付随する初期設備投資費用にかかる資金の確保を見込む。これらを経て、コンパッションネート・ユース・プログラムによる商業化推進のため「エミクススタト塩酸塩」の製造開始を想定。
（ANSM: フランス医薬品・保健製品安全庁、MAA: 医薬品販売承認申請書、HAS: フランス高等保健機構、SMR: 医療サービス提供度、ASMR: 医療サービスの改善度、TBC: 継続）

商業化推進のイメージ (2025年11月14日時点)	2026				2027			
	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4
資金調達 「エミクススタト塩酸塩」 の原材料仕入費用および医薬 品製造費用の確保 	原則として、払込期日の翌取引日または「エミクススタト塩酸塩」の商業パートナーとのエミクススタト塩酸塩の販売（商業化）に向けた提携契約締結の公表日の翌取引日のいずれか遅い日から120取引日間の期間以内に 45,000,000株 全てを行使 第38回新株予約権の行使 ↓ コミット・イシュー							
製造 「エミクススタト塩酸塩」 の製造 	原材料仕入 ↓ 初期ロット生産				製造・検査・出荷 ↓ スターガルト病患者へ「エミクススタト塩酸塩」を提供 ↓ フランスにおける眼科疾患領域で高い専門性と影響力のある医師へアプローチ			
MSL（メディカル・サイエン ス・リエゾン） 「エミクススタト塩酸塩」 の情報提供 	ANSMへMAA提出（新薬承認申請） ↓ 新薬承認				HASによるSMR / ASMR（臨床的有用性・経済価値評価）TBC ↓ EMA (欧州医薬品庁)による承認審査 TBC			
審査 「エミクススタト塩酸塩」 の新薬承認審査及び承認審査  	審査期間：通常約6～12か月							

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 第三者割当により調達した資金を活用した製造計画

医薬品有効成分（API）の製造関連費用として、2026年1月～2026年6月までの期間において400百万円を、医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造およびこれに付随する初期設備投資費用として、2026年1月から2030年12月までの期間において214百万円を今回の資金調達によって充当する予定です。なお214百万円のうち、医薬品製剤（タブレット型錠剤）の製造に必要な付随する初期設備投資費用として、2026年1月から2026年12月までの期間において107百万円を充当し、その後2030年までの間、各年26.75百万円を充当する予定です。



スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 欧州における市場規模

2023年時点でフランス、ドイツ、イタリア、スペイン、英国などの欧州地域がスターガルト病治療薬市場の45%近くを占めております。^{*1}

当社は、欧州市場においてスターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」により、約10億36百万ドル（約1,502億円）の推定市場規模の獲得に向けて取り組んでいます。^{*2}

TAM

(Total Addressable Market)

対象市場全体

推定31億88百万ドル(約4,623億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する欧州の推定スターガルト病患者 * 年間
治療費

SAM

(Serviceable Addressable
Market) - Maximum Market
Penetration

提供可能市場

15億94百万ドル(約2,311億円^{*3})

4.4mm²未満の病変を有する欧州の中等度スターガルト病患者に対
する推定最大市場普及率で試算

SOM

(Serviceable Obtainable
Market)

獲得見込市場

10億36百万ドル
(約1,502億円^{*3})

目標市場獲得シェア32.5%

^{*1} 出所: Global Information, and Coherent Market Insights

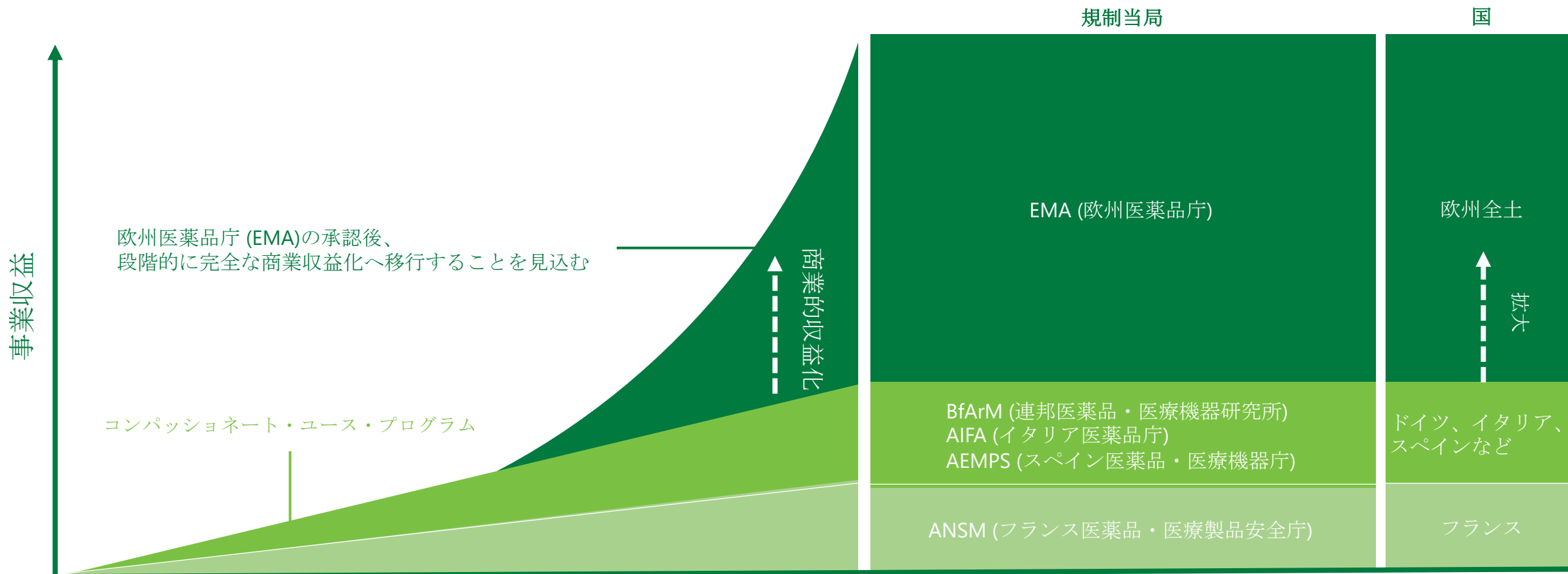
^{*2} 出所: Kubota Vision Inc. 独自調査

^{*3} 1ドル145円で算出

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 コンパッションネート・ユース・プログラムから商業的収益化へ

フランスにおいては、CUP下での供給は政府による年度末償還（Payback AAC）の対象となりますが、EMAによる製造販売承認取得後には、同薬剤は正式な薬価収載・保険償還対象となり、償還調整は不要となります。したがって、承認後はCUPから商業販売へ移行し、安定的な収益成長が見込まれます。

また、フランス以外の欧州諸国（例：ドイツ、イタリア、スペインなど）でも、同様の早期アクセスまたはCUP制度を活用することで、希少疾患領域での市場プレゼンスを先行的に確立し、競合他社に先んじたシェア獲得および臨床データの蓄積が期待されます。これにより、2020年代後半にかけて欧州全体での患者提供を拡大し、EMA承認後には商業的収益化へと段階的に移行する見通しです。



スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 用語解説

コンパッションネート・ユース・プログラム (CUP)

一部地域では拡大アクセスプログラム（EAP）、フランスではAutorisation d'Accès Compassionnel（AAC）とも呼ばれており、重篤または生命を脅かす疾患を持つ患者が、正式な販売承認を得る前の治験薬（未承認医薬品）へのアクセスを可能にする規制枠組みである。

EMA (欧州医薬品庁)

EU加盟国全体における医薬品の科学的評価、監督、安全監視を担当するEUの中央規制機関。集中型販売承認経路を通じて医薬品を承認し、これにより全EU諸国でのアクセスを可能とする。

ANSM (フランス医薬品・医療製品安全庁)

公衆衛生と患者の安全を確保するため、医薬品および医療製品の評価、承認、監視を担当するフランスの規制当局。

MAA (医薬品販売承認申請書)

EUでの新薬販売承認を得るためにEMAまたは各国の医薬品規制当局（フランスの場合はANSM）に提出される正式な申請書。品質、安全性、有効性を証明する前臨床および臨床試験のデータが含まれます。

HAS (フランス高等保健機構)

医薬品の医療上の利益、治療的価値、費用対効果を評価する独立した公的機関。HASは、ANSMの科学的データに基づき、製品がフランス国民健康保険制度による償還対象となるべきかどうかを決定する。

SMR (医療サービス提供度)

HASが医薬品の絶対的な臨床的価値（患者にとっての有益性）を評価するために使用する格付けシステム。償還適格性と償還率に影響を与える。

- SMRが高い = 償還レベルが高い
- SMRが低い = 償還が制限されるか、償還対象外となる

ASMR (医療サービスの改善度)

新薬が既存治療をどの程度改善するかを評価する指標。HASはASMRを以下の尺度（I～V）でランク付けする：

- I：大幅な改善
- II：著しい改善
- III：中程度の改善
- IV：軽微な改善
- V：改善なし

ASMRスコアが高いほど、迅速なアクセスと高価格交渉が可能となる。

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 用語解説

MSL (メディカル・サイエンス・リエゾン)

製薬会社に所属し、医療従事者（特にキーオピニオンリーダー）との関係を構築し、宣伝目的ではないエビデンスに基づいた医療情報を伝える、科学および臨床の専門家。MSLは、営業やマーケティング部門とは異なり、メディカルアフェアーズおよび科学的な情報交換において重要な役割を果たします。

API (医薬品有効成分)

医薬品の主成分として有効な薬理作用を示す化学物質または生物由来成分を指し、最終製剤（スターガルト病治療候補薬「エミクススタト塩酸塩」の場合は経口錠剤）に配合される前の原薬段階の物質です。

BfArM (連邦医薬品・医療機器研究所)

ドイツの化学医薬品および医療機器に関する主要な規制機関。販売承認申請（MAA）の評価および市販後安全性の監視を行う。未承認医薬品に対する特別使用許可（Härtefallprogramme）プログラムを監督。生物学的製剤およびワクチンを扱うポール・エールリッヒ研究所（PEI）と緊密に連携。

AIFA (イタリア医薬品庁)

医薬品の規制、価格設定、償還を担当するイタリアの国家機関。臨床試験の認可、新薬の販売承認、医薬品安全性の監視を行う。承認前の治療法に対する「Uso Compassionevole」（適応外使用）プログラムを管理。また、イタリアの国民保健制度において製造業者と薬価交渉を行う。

AEMPS (スペイン医薬品・医療機器庁)

医薬品、生物学的製剤、医療機器を規制するスペインの機関。医薬品の承認と「Uso Compasivo」（適応外使用）アクセスの監督を担当。EU指令への準拠を確保し、薬物監視を監視する。

參考資料

スターガルト病治療候補薬
エミクススタト塩酸塩



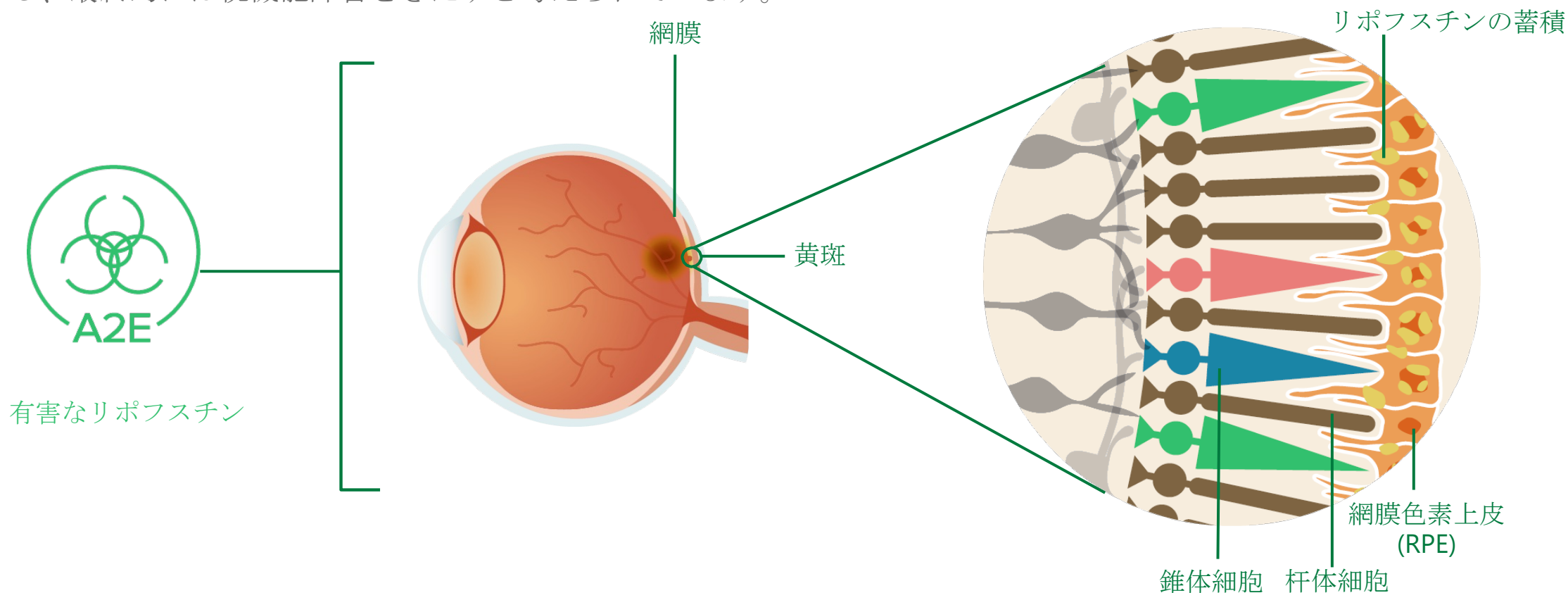
スターガルト病とは

スターガルト病は、遺伝性の突然変異で罹患する若年性黄斑変性で希少疾患と呼ばれる患者数の少ない病気です。8千～1万人に1人が罹患すると言われており、米国、欧州、日本において、合計15万人弱の患者がいると推定されています。早い人では学童期から発症する病気で、徐々に視細胞が損傷されていく遺伝性の病気です。視野の欠損、色覚異常、歪み、ぼやけ、「目の中心部が見えづらい」と訴えることもあり、病気の進行と共に、見えない範囲が広がっていきます。



スターガルト病の症状

スターガルト病は遺伝性の黄斑変性症で、主に小児期から若年成人期に発症し進行性の視力低下を引き起こします。有害代謝産物の前駆物質を分解する細胞に輸送する働きをするABCA4遺伝子の変異が原因であることが多く、視細胞の代謝産物であるビタミンA由来の有害なリポフスチン（脂褐色素）が網膜に蓄積し、黄斑部の視細胞がダメージを受けて視力低下を引き起こし、最終的には視機能障害をきたすと考えられています。

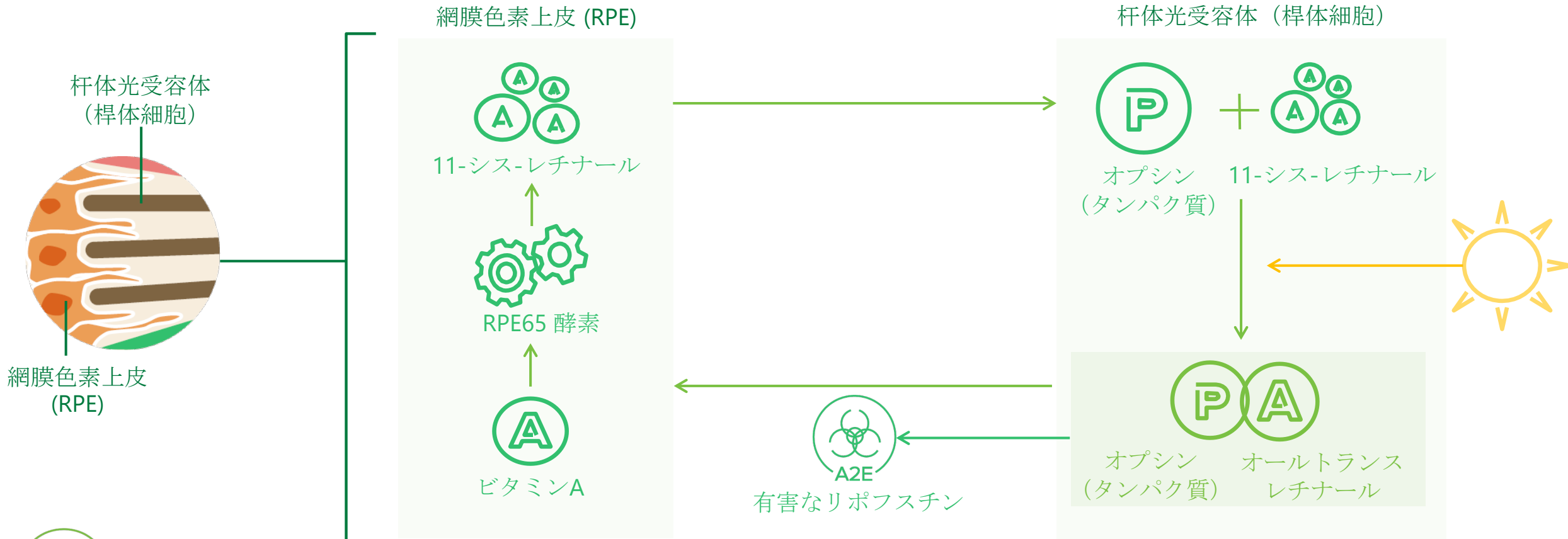


リポフスチン：細胞内で分解されずに残った脂質やタンパク質などが変性したもので、加齢や様々な要因によって細胞内に蓄積する黄褐色の色素

A2E：桿体細胞に存在する光受容タンパク質であるロドプシンの分解過程で生成される化合物で、リポフスチンを構成する主要な化合物。特に網膜色素上皮細胞に多く蓄積

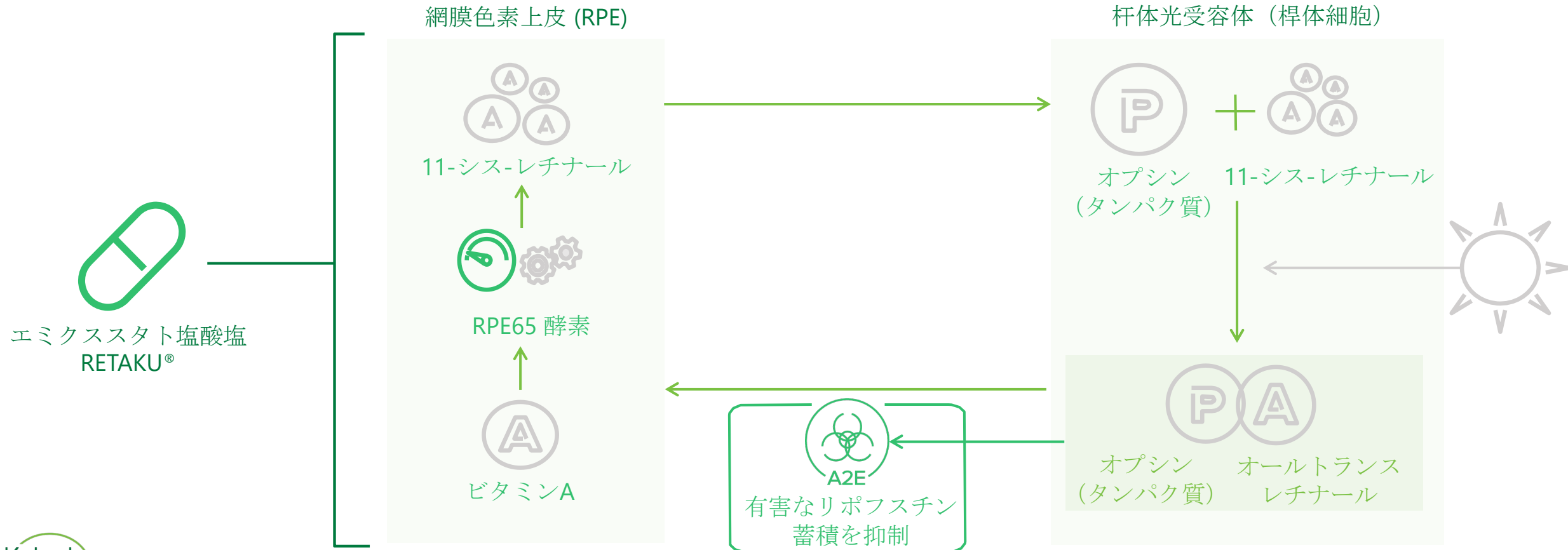
視覚サイクルとスターガルト病のメカニズム（簡略図）

視覚サイクルとスターガルト病のメカニズムとして、網膜色素上皮(RPE)内在の11-シス-レチナールというビタミンAの一つがオプシンというタンパク質が結合して光を感じる物質になり、光があたると11-シス-レチナールがオールトランスレチナールという、より熱医学的に安定したかたちに変化し人間の脳は「光が感じられた」と感じるようになります。スターガルト病は、このオールトランスレチナールを解毒酵素（RPE65）のところに運ぶためのトランスポーター遺伝子であるABCA4遺伝子の変異があり、高い確率でより速く眼の中に有害なりポフスチン（脂褐色素）が網膜に蓄積し視機能障害が発症します。



エミクススタト塩酸塩の作用機序（薬理的メカニズム）

エミクススタト塩酸塩は、当社グループ独自の視覚サイクルモジュレーション技術（VCM技術）により視覚サイクル中の重要な酵素であるRPE65を選択的に阻害することで視覚サイクルによって生じる老廃物を減らす効果があり、スターガルト病の抑制が期待されています。

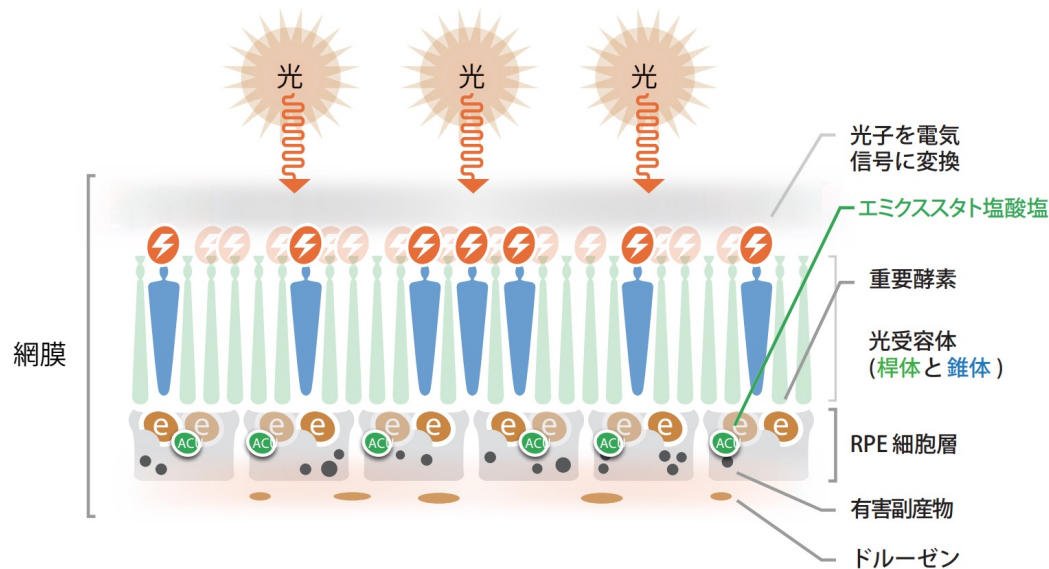


エミクススタト塩酸塩：独自の視覚サイクルモジュレーション技術と付帯する特許ポートフォリオ

視覚サイクルモジュレーション技術（VCM技術）とは、視覚サイクル（眼球の後部にある網膜内にて光子が電気信号へと変換する仕組み）によって網膜に蓄積する有害副産物を減少させ、また酸化ストレスにより網膜の障害を低減し、光ダメージから網膜を保護する効果が期待される治療技術です。

網膜色素上皮（RPE）細胞はその成長に伴い、光受容体の先端を（一定の速度で）侵食し続け、同時に視覚サイクルの有害副産物が蓄積されていきます。エミクススタト塩酸塩が視覚系に適用されると（桿体細胞のみを標的とし、錐体細胞には作用しない）視覚サイクルにおける重要酵素の生成が抑制されます。エミクススタト塩酸塩が酵素の生成を抑制することにより、桿体細胞の活動も抑制されると同時にRPE細胞での有害副産物の蓄積も緩徐になります。視覚サイクルを遅らせる（モジュレートする）ことにより蓄積される有害副産物が減少し、病状の進行が遅くなります。

独自の視覚サイクルモジュレーション技術



エミクススタト塩酸塩に関わるもの含むVCM特許

区分	医薬品(VCM)
取得済特許	55件
出願中特許	9件

当社グループはこのVCM技術がエミクススタト塩酸塩にて視覚サイクルで重要な働きをするRPE65と呼ばれる酵素を選択的に阻害する効果があると臨床試験の結果から確認しており、エミクススタト塩酸塩の開発に関わるものを含めVCM技術に関する特許を55件取得（医薬品分野）しております。

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 オーファンドラッグ認定

米国食品医薬品局(FDA)、欧州医薬品庁(EMA)からオーファンドラッグ認定



2017年1月認定



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019年6月認定

オーファンドラッグは稀少疾病用医薬品と呼ばれ、治療が困難な病気や患者数が少ない病気に対する治療薬のことをいいます。日本においては患者数が5万人未満であること、米国では治療薬が存在しない疾患に対して患者数が20万人未満であること、開発コストが販売から回収される見込みがないことなどの基準が設けられています。

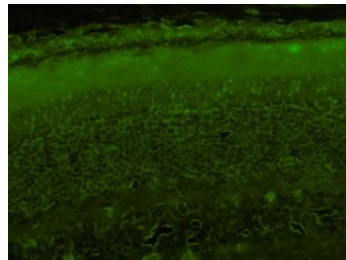
また病気を治療する医薬品の重要性に基づき研究開発が進むよう、公的援助制度等を整備することを目的に米国FDAにより「オーファンドラッグ法」が制定されています。オーファンドラッグに指定された場合、開発促進を図るためにスポンサー（開発）企業は以下のように市場の独占期間、迅速承認制度、申請費用の優遇、助言・指導の優遇、税制措置という手厚い支援制度を享受することができます。

1. 10年間の市場独占期間
2. 製造販売承認申請費用の減額
3. 当局による助言・指導、相談料の減額
4. 優先承認審査

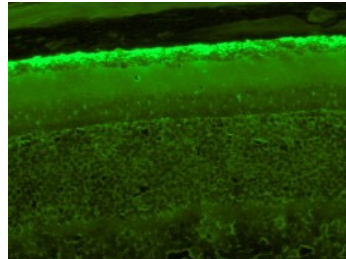
エミクススタト塩酸塩による有害なビタミンA代謝物A2Eの減少効果

ABCA4遺伝子をノックアウトしたマウスにおける実験モデル。野生型マウスにおいて、エミクススタト塩酸塩の単回経口投与後、杆体光受容体（桿体細胞）に内在し光を感知して視覚情報に変換するための化学物質である視覚クロモフォア（11-シス-レチナール）の産生が減少し、リポフスチン（脂褐色素）の自己蛍光が著しく減少するとともに、A2Eの蓄積も低下。

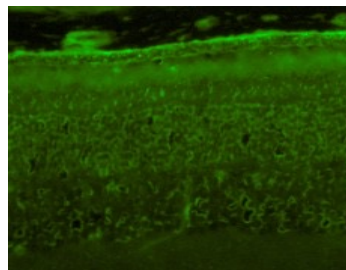
A2E／リポフスチンの減少



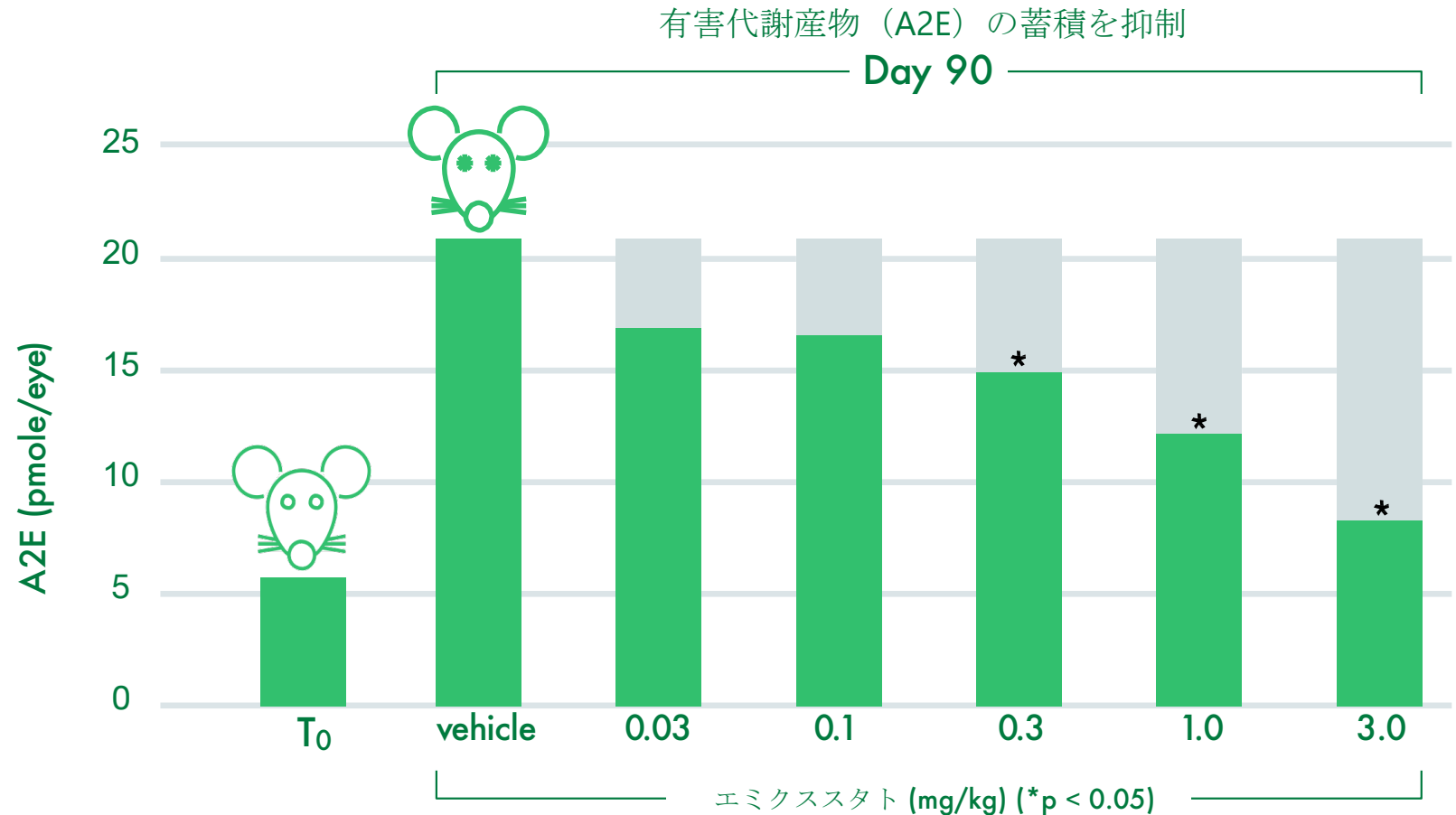
正常な網膜



ABCA4-/-
(vehicle)



ABCA4-/-
(エミクススタト3mg/kg)



FDA Orphan Products Clinical Trials Grants Programの助成プログラムにエミクススタト塩酸塩の臨床試験が選定

FDAより助成金：3年間で総額最大163万ドル（約1.7億円）

2020年8月、スターガルト病を適応症として実施している治療候補薬エミクススタト塩酸塩の第3相臨床試験が、米国食品医薬品局（Food and Drug Administration: FDA）より、Orphan Products Clinical Trials Grants Program^{*1}の助成プログラムに選定。3年間で総額最大163万ドル（約1.7億円）の助成金となる。

FDAのこの助成金プログラムは、1983年に開始されており37年間で667件の研究開発が採択（2020年時点）されているが、その殆どが大学所属の研究者で企業の採択率は全分野のうち3%であり、日本人社長、日本のグループ企業で初めて採択。

^{*1} 米国食品医薬品局（FDA）が運営する資金支援プログラムで、具体的には希少疾病医薬品開発事務局（Office of Orphan Products Development: OOPD）を通じて実施されています。このプログラムは、希少疾患向けの製品の臨床開発を支援することを目的としています。



Dr. Stephen M. Hahn,
24th the U.S. Commissioner of Food and Drugs



Dr. Stephen M. Hahn
@SteveFDA

FDA announces that it has awarded 6 new clinical trial research grants to principal investigators from academia and industry totaling over \$16 million over the next four years.

[ツイートを翻訳](#)



午前4:58 · 2020年10月9日 · Twitter for iPhone

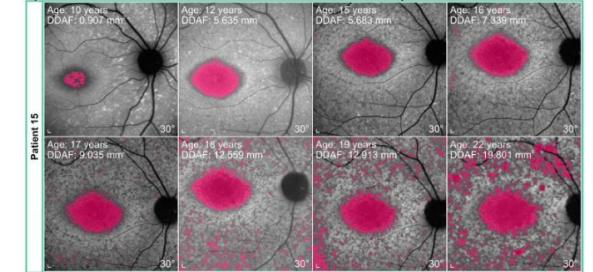
<https://x.com/SteveFDA/status/1314294028331081729>

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 第3相試験

スターガルト病に伴う黄斑萎縮の治療におけるエミクススタト塩酸塩とプラセボの有効性及び安全性を比較する
第3相多施設共同ランダム化二重盲検試験



* Example of Increase in the DDAF area (pink) Autofluorescence



Sajovic J et al. Natural History of Stargardt Disease: The Longest Follow-Up Cohort Study. *Genes (Basel)*. 2023 Jul 2;14(7):1394.

研究目的：

スターガルト病の患者において、エミクススタト塩酸塩がプラセボと比較して黄斑萎縮の進行速度を軽減するかどうかを評価する

研究群と介入：

194例

2つの治療群：エミクススタト塩酸塩10mg（5mgまで減量可能）またはプラセボ

投与方法と期間：研究薬を1日1回経口投与し、24ヶ月間継続

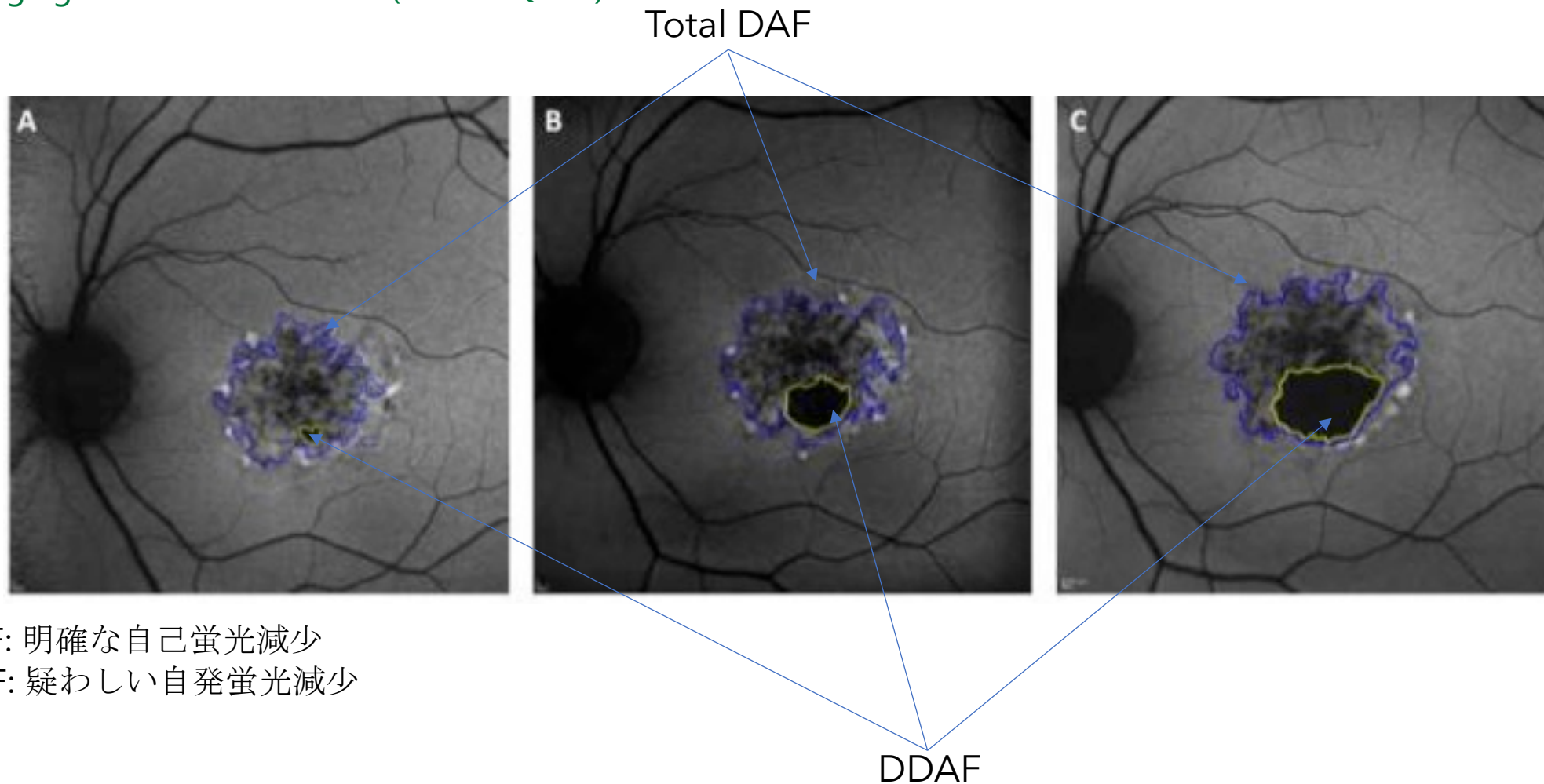
研究結果の評価

主要評価項目: 網膜色素変性症の総面積の変化率の平均値（網膜自発蛍光法*による測定）

副次評価項目: 有害事象（AE）、網膜感度とコントラスト感度の変化、追加のイメージング評価項目、読字速度の変化、
最良矯正視力早期糖尿病網膜症研究（ETDRS）視力検査文字スコアの変化

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩 第3相試験における主要評価項目FAF Imaging

FAF Imaging – DDAF vs Total DAF (DDAF+QDAF)



Ref: Strauss RW et al. ProgStar Study Group. Progression of Stargardt Disease as Determined by Fundus Autofluorescence Over a 12-Month Period: ProgStar Report No. 11. *JAMA Ophthalmol.* 2019 Oct 1;137(10):1134-1145.

スターガルト病治療候補薬：エミクススタト塩酸塩

第3相試験の試験結果

サブグループ解析の結果をもとに、引き続き第3相試験の治療の有効性と安全性を統計的に検証する最終段階の試験である 1 対 2 のピボタル試験要件の確認を進める

主要評価項目：

未達成 – 黄斑萎縮の進行率

・エミクススタト塩酸塩 = $1.280 \text{ mm}^2/\text{年}$

・プラセボ = $1.309 \text{ mm}^2/\text{年}$

差 = $0.029 \text{ mm}^2/\text{年}$ (2.2%)

$p = 0.8091$

副次評価項目：いずれも達成されず

サブグループ解析：

ベースラインで萎縮性病変が小さい被験者において、
エミクススタト塩酸塩により進行が遅くなった

探索的解析により小さな病変のカットオフ値を設定： $<4.4 \text{ mm}^2$

・エミクススタト塩酸塩とプラセボの差を最大化

・被験者の約1/3が24ヶ月間投与を受けたこのサブグループにおける治療群間の潜在的な差異を考慮し、単変量解析と多変量解析により、病変の進行に影響を与える基線因子を特定。

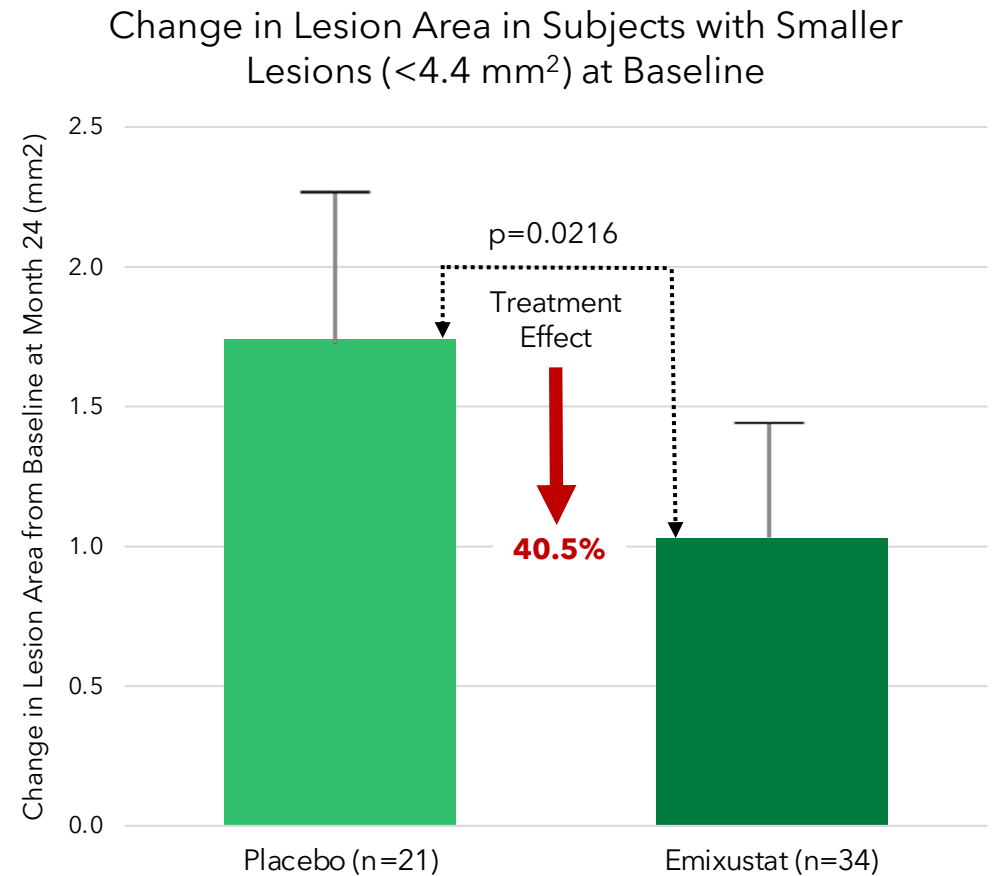
・多変量解析では、有意な基線因子を調整

エミクススタト塩酸塩 = 2年間で 1.03 mm^2

プラセボ = 2年間で 1.74 mm^2

エミクススタト塩酸塩で **40.5%の減少**

$p = 0.0216$



免責事項

本資料は関係情報の開示のみを目的として作成されたものであり、有価証券の取得または売付けの勧誘または申込みを構成するものではありません。本資料は、正確性を期すべく慎重に作成されていますが、完全性を保証するものではありません。また本資料の作成にあたり、当社に入手可能な第三者情報に依拠しておりますが、かかる第三者情報の実際の正確性および完全性について、当社が表明・保証するものではありません。当社は、本資料の記述に依拠したことにより生じる損害について一切の責任を負いません。また本資料の情報は、事前の通知なく変更される可能性があります。

本資料には将来予想に関する見通し情報が含まれます。これらの記述は、現在の見込、予測およびリスクを伴う想定（一般的な経済状況および業界または市場の状況を含みますがこれらに限定されません）に基づいており、実際の業績とは大きく異なる可能性があります。今後、新たな情報、将来の事象の発生またはその他いかなる理由があっても、当社は本資料の将来に関する記述を更新または修正する義務を負うものではありません。

リスクや不確実性には、一般的な業界ならびに市場の状況、金利、通貨為替変動といった一般的な国内および国際的な経済状況が含まれます。

お問い合わせ先
広報・IR 担当
(代表) 03-6550-8928



FINDING CURE FOR BLINDNESS